

Datum
2023-11-17Vår beteckning
1587/2023**SÖKANDE**Chiesi Pharma AB
KLARA NORRA KYRKOGATA 34 5TR
111 22 Stockholm**SAKEN**

Ansökan inom läkemedelsförmånerna

BESLUT

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket beslutar att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med den 18 november 2023 till i tabellen angivna priser. Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket fastställer de alternativa försäljningspriserna till samma belopp som AIP.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)	AUP (SEK)
Elfabrio	Koncentrat till infusionsvätska, lösning	2 mg/ml	Injektion sflaska, 5 x 10 ml	053888	84 502,96	85 549,21
Elfabrio	Koncentrat till infusionsvätska, lösning	2 mg/ml	Injektion sflaska, 1 x 10 ml	558946	16 900,59	17 284,85

ANSÖKAN

Chiesi Pharma AB (företaget) har ansökt om att det läkemedel som anges i tabellerna på sidan 1 ska ingå i läkemedelsförmånerna.

UTREDNING I ÄRENDET

Fabrys sjukdom är en lysosomal sjukdom som orsakas av brist på fungerande enzym alfagalaktosidas A. Enzymbristen medför att vissa ämnen i kroppens celler inte bryts ned utan istället lagras i cellerna, varvid blodkärl och andra organ kan skadas. Det finns ännu ingen behandling som botar Fabrys sjukdom, men symtomen kan förebyggas eller behandlas på olika sätt.

Den aktiva substansen i Elfabrio är pegunigalsidas alfa. Pegunigalsidas alfa är en pegylerad rekombinant (genteknologiskt framställt) form av humant alfa-galaktosidas A. Elfabrio är avsett för långvarig enzymsättningsbehandling hos vuxna patienter med en bekräftad diagnos av Fabrys sjukdom (brist på alfa-galaktosidas).

Företaget uppger att Fabrazyme (agalsidas beta) utgör det relevanta jämförelsealternativet till Elfabrio. Företaget motiverar sitt val av jämförelsealternativ med att Fabrazyme används mest av de tillgängliga läkemedel som används för behandling av Fabrys sjukdom i Sverige som utöver Fabrazyme är Replagal och Galafold.

Företaget menar att agalsidas beta och pegunigalsidas alfa har jämförbar effekt. Detta eftersom BALANCE-studien visar att pegunigalsidas alfa inte är sämre (non-inferior) än agalsidas beta avseende njurfunktion efter 24 månader.

Ansökt pris för Elfabrio är 85 549,21 kronor (AUP) för en förpackning med fem injektionsflaskor (å 10 ml 2 mg/ml) och 17 284,85 kronor (AUP) för en injektionsflaska (å 10 ml 2 mg/ml).

Företaget har kommit in med en hälsoekonomisk analys bestående av en kostnadsjämförelse där behandlingskostnaden för Elfabrio jämförs mot behandlingskostnaden för Fabrazyme. Företaget antar att dosering för Elfabrio avrundas uppåt eller nedåt i fem till tio kg intervall. Administreringskostnaderna för respektive produkt utgår från att samtliga patienter antas få infusionen i hemmet assisterad av en sjuksköterska. Företagets kostnadsjämförelse visar att behandlingskostnaderna för Elfabrio är kostnadsbesparande jämfört med dagens standardbehandling med Fabrazyme.

SKÄLEN FÖR BESLUTET

Tillämpliga bestämmelser m.m.

Enligt 8 § första stycket lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. (nedan förmånslagen) får den som marknadsför ett läkemedel eller en vara som avses i 18 § samma lag ansöka om att läkemedlet eller varan ska ingå i läkemedelsförmånerna. Sökanden ska visa att villkoren enligt 15 § förmånslagen är uppfyllda och lägga fram den utredning som behövs för att fastställa inköpspris och försäljningspris.

Av 15 § förmånslagen framgår att ett receptbelagt läkemedel ska omfattas av läkemedelsförmånerna och inköpspris och försäljningspris ska fastställas för läkemedlet

under förutsättning att

1. kostnaderna för användning av läkemedlet, med beaktande av bestämmelserna i 3 kap. 1 § hälso- och sjukvårdslagen (2017:30), framstår som rimliga från medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter, och
2. det inte finns andra tillgängliga läkemedel eller behandlingsmetoder som enligt en sådan avvägning mellan avsedd effekt och skadeverkningar som avses i 4 kap. 1 § första stycket läkemedelslagen (2015:315) är att bedöma som väsentligt mer ändamålsenliga.

I förarbetena till förmånslagen anges att TLV:s beslutsfattande utgår från tre grundläggande principer: människovärdesprincipen - att vården ska ges med respekt för alla människors lika värde och för den enskilda människans värdighet, behovs- och solidaritetsprincipen – att den som har det största behovet av hälso- och sjukvården ska ges företräde till vården samt kostnadseffektivitetsprincipen – att det bör eftersträvas en rimlig relation mellan kostnader och effekt, mätt i förbättrad hälsa och förhöjd livskvalitet (se prop. 2001/02:63 s. 43 ff., jfr prop. 1996/97:60 s. 18 ff.).

Av 27 § förmånslagen framgår att TLV:s beslut gäller omedelbart om inte annat beslutas.

TLV gör följande bedömning

Fabrazyme och Replagal är de enzymersättande behandlingarna mot Fabrys sjukdom som används idag i klinisk praxis. Båda ingår i läkemedelsförmånerna och är kliniskt relevanta. TLV utgår från rekommenderad dosering. Fabrazyme har utifrån detta lägst kostnad. TLV bedömer därför att Fabrazyme är relevant jämförelsealternativ.

I den dubbelblindade, randomiserade BALANCE-studien behandlades patienter med symtomatisk Fabrys sjukdom med pegunigalsidas alfa eller agalsidas beta. Non-inferiority kriterierna uppnåddes med pegunigalsidas alfa jämfört med agalsidas beta avseende den årliga förändringen av den uppskattade glomulära filtrationshastigheten efter 24 månader. Däremot uppnåddes den inte efter 12 månader i ITT-populationen och studien hade flera kvalitetsbrister, så som en förändring av studiedesign under tiden studien pågick varför TLV anser att det föreligger osäkerheter kring effektbedömningen. TLV bedömer trots detta, baserat på studieresultaten efter 24 månader, att pegunigalsidas alfa (Elfabrio) och agalsidas beta (Fabrazyme) har jämförbar effekt vid behandling av Fabrys sjukdom.

Mot bakgrund av att Elfabrio bedöms ha jämförbar effekt med Fabrazyme, utgår TLV från en kostnadsjämförelse som grund för den hälsoekonomiska bedömningen. TLV utgår från rekommenderad dosering enligt produktresumén om 1 mg/kg kroppsvikt för Elfabrio och Fabrazyme samt inkluderar kostnader för kassation för överblivet läkemedel. TLV:s kostnadsjämförelse utgår enbart från läkemedelskostnader för Elfabrio och Fabrazyme, eftersom administreringskostnader för Elfabrio och Fabrazyme antas vara samma vid underhållsdosering.

Elfabrios och Fabrazymes rekommenderade dosering enligt produktresumén är 1 mg/kg kroppsvikt. Varje injektionsflaska av Elfabrio innehåller 20 mg. För patienter vars vikt kräver en dosering som innebär att en injektionsflaska öppnas men allt innehåll inte används, kommer det uppstå kassation av överblivet läkemedel. Beroende på patientens vikt kasseras olika mycket läkemedel av Elfabrio. Fabrazymes injektionsflaskor innehåller 35 mg eller 5 mg. Detta innebär att det i regel inte uppstår lika mycket kassation av överblivet läkemedel för Fabrazyme eftersom hela injektionsflaskor oftast kan användas oaktat patientens kroppsvikt. Trots att kassation uppstår i högre utsträckning för Elfabrio i jämförelse med Fabrazyme, visar TLV:s kostnadsjämförelse att den genomsnittliga läkemedelskostnaden för

1587/2023

den utvärderade patientpopulationen i TLV:s viktkurva (60-100 kg) är 1 934 329 kronor per patient och år för Elfabrio och 1 984 101 kronor per patient och år för Fabrazyme. TLV konstaterar att den genomsnittliga läkemedelskostnaden för Elfabrio är lägre än den genomsnittliga läkemedelskostnaden för Fabrazyme, även om det uppstår brytpunkter för vissa kroppsvikter där läkemedelskostnaden för Elfabrio är högre än läkemedelskostnaden för Fabrazyme.

Utifrån de omständigheter som föreligger vid tidpunkten för detta beslut bedömer TLV att kostnaderna för användningen av Elfabrio är rimliga och att kriterierna i 15 § förmånslagen i övrigt är uppfyllda. Ansökan ska därför bifallas.

Upplysning

TLV har den 8 november 2023 startat en omprövning av bland annat Fabrazyme och Replagal för att utreda om förutsättningarna i 15 § fortsatt är uppfyllda. TLV avser att inkludera Elfabrio i denna omprövning.

Se nedan hur man överklagar.

Detta beslut har fattats av Nämnden för läkemedelsförmåner hos TLV. Följande ledamöter har deltagit i beslutet: Överläkaren Margareta Berglund Rödén (ordförande), Förbundsordföranden Elisabeth Wallenius, Docenten Gerd Lärfars, Överläkaren Inge Eriksson, Läkemedelschefen Maria Landgren, Universitetslektorn Martin Henriksson, Professorn Sofia Kälvemark Sporrang och Överläkaren Maria Strandberg. Ärendet har föredragits av medicinska utredaren Katharina Schellhaus. I den slutliga handläggningen har även juristen Per Claesson deltagit.

Margareta Berglund Rödén

Katharina Schellhaus

HUR MAN ÖVERKLAGAR

Beslutet kan överklagas hos Förvaltningsrätten i Stockholm. Överklagandet ska vara skriftligt och ställas till förvaltningsrätten, men skickas till TLV som skickar vidare överklagandet till förvaltningsrätten. TLV ska ha fått överklagandet inom tre veckor från den dag klaganden fick del av beslutet, annars kan överklagandet inte prövas. I överklagandet ska det anges vilket beslut som överklagas och på vilket sätt beslutet ska ändras. Om TLV ändrar det beslut som överklagats, överlämnas även det nya beslutet till förvaltningsrätten. Överklagandet omfattar även det nya beslutet.